

16 dicembre 2016
EMA/847130/2016
EMEA/H/C/001131/II/45/G

Domande e risposte

Ritiro della domanda di modifica dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Arzerra (ofatumumab)

L'8 novembre 2016 Novartis Europharm Ltd ha notificato ufficialmente al comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) la sua intenzione di ritirare la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Arzerra, da utilizzare in una nuova associazione con bendamustine per il trattamento della leucemia linfatica cronica (LLC) recidiva.

Che cos'è Arzerra?

Arzerra è un medicinale antitumorale usato nel trattamento di pazienti adulti affetti da leucemia linfatica cronica (LLC), una forma di cancro che colpisce i linfociti (un tipo di globuli bianchi). Viene usato in associazione ai medicinali antitumorali chlorambucil o bendamustine in pazienti precedentemente non trattati a cui non possono essere somministrate terapie a base di un altro medicinale, fludarabina. Può essere anche usato nei pazienti in cui la malattia non ha risposto a un precedente trattamento con fludarabina e con un medicinale denominato alemtuzumab¹.

Arzerra è autorizzato dall'aprile 2010. Contiene il principio attivo ofatumumab ed è disponibile come concentrato per la preparazione di una soluzione per infusione (iniezione goccia a goccia) in vena.

Arzerra è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 7 novembre 2008 per il trattamento della LLC. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili [qui](#).

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Arzerra?

Arzerra avrebbe dovuto essere usato in associazione a bendamustine per il trattamento degli adulti affetti da LLC recidiva (LLC che si ripresenta dopo il trattamento precedente).

¹ Il 10 novembre 2016 il CHMP ha espresso parere positivo raccomandando un'estensione della seguente indicazione:
http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/human/medicines/001131/smops/Positive/human_smop_001049.jsp&mid=WC0b01ac058001d127

Come agisce Arzerra?

Il principio attivo presente in Arzerra, ofatumumab, è un anticorpo monoclonale, una proteina che è stata concepita per riconoscere e legarsi a un'altra proteina denominata CD20 presente sulla superficie dei linfociti, compresi i linfociti cancerosi osservati in caso di LLC. Legandosi alla CD20, ofatumumab stimola il sistema immunitario dell'organismo ad attaccare le cellule cancerose e contribuisce a controllare la malattia.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i risultati di uno studio che ha coinvolto 53 pazienti con LLC recidiva. Tutti i pazienti hanno ricevuto Arzerra più bendamustine; Arzerra non è stato confrontato con alcun altro trattamento in questo studio. Il principale indicatore dell'efficacia era basato sulla percentuale di pazienti che avevano risposto in maniera parziale o totale al trattamento.

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La domanda è stata ritirata dopo che il CHMP aveva valutato la documentazione fornita dalla ditta e aveva formulato un elenco di domande. Dopo la valutazione da parte del CHMP delle risposte della ditta alle domande, alcuni problemi erano rimasti irrisolti.

Qual era la raccomandazione del CHMP a quel punto?

In base all'esame dei dati, al momento del ritiro della domanda, il CHMP aveva avuto alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Arzerra non potesse essere autorizzato per il trattamento della LLC recidiva in associazione a bendamustine.

Il CHMP nutriva dubbi perché lo studio non aveva confrontato Arzerra con alcun altro medicinale e aveva coinvolto solo 53 pazienti con LLC recidiva. Inoltre, sebbene alcuni pazienti (39 su 53) avessero risposto all'associazione di Arzerra più bendamustine, solo pochi pazienti (6 su 53) avevano risposto in maniera totale e tali dati non erano sostenuti da ulteriori risultati dello studio.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, il CHMP riteneva che i risultati dello studio non fossero affidabili e aveva concluso che il medicinale non poteva essere autorizzato sulla base dei dati presentati dalla ditta.

Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella lettera con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato che la sua decisione era basata sui dubbi espressi dal CHMP riguardo alla progettazione dello studio e alla relativa popolazione di pazienti.

La lettera di ritiro della domanda è consultabile [qui](#).

Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato il CHMP che non vi sono conseguenze per i pazienti attualmente inseriti in studi clinici con Arzerra o che intendano parteciparvi. Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico che le sta trattando.

Che cosa succede nel caso di Arzerra usato per il trattamento di altre patologie?

Non vi sono conseguenze per l'uso di Arzerra in riferimento alle indicazioni già autorizzate.

La versione completa della relazione pubblica di valutazione europea per Arzerra è disponibile sul sito Internet dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports.